



Lääkehoitoa harvinaissairauksiin

Tällä hetkellä noin 30 miljoonaa Euroopan unionin alueella asuvaa kansalaista kärsii sairaudesta, jonka voi luokitella harvinaiseksi. Harvinaissairauksien kirjo on laaja, ja on arvioitu, että lääketieteellisessä kirjallisuudessa kuvataan viisi uutta sairautta viikoittain.

Genetiikan alalla tapahtuneen nopean kehityksen seurauksena harvinaisten sairauksien diagnostiikka on tarkentunut. Uusien menetelmien ansiosta monissa tapauksissa vältetään pitkiltä viiveiltä taudinmäärityksessä.

Useimpiin harvinaisiin sairauksiin ei ole olemassa lääkettä. Harvinaislääkkeiden tutkimusta ja kehittämistä onkin haluttu turvata kannustimilla. Suomessa harvinaislääkkeitä on kohtalaisen hyvin saatavilla, mutta ne ovat usein hyvin kalliita.

Sosiaali- ja terveysministeriön asettama ohjausryhmä laati harvinaisten sairauksien kansallisen ohjelman vuosiksi 2014–2017. Ohjelmassa todetaan muun muassa tarve turvata harvinaislääkkeiden saatavuus.

Kela on selvittänyt harvinaissairauksien hoidossa käytettäviä lääkkeitä ja niiden korvattavuutta Suomessa. Vuonna 2015 julkaistun selvityksen eräs johtopäätös on, että nykyinen lääkekorvausjärjestelmä ei huomioi riittävästi harvinaissairauksien lääkkeitä. Lääkkeiden korvattavuuspäätökset perustuvat pääosin lääkeyritysten hakemuksiin ja lääkkeiden hyväksyttävyyden käyttöaiheisiin, jotka eivät useinkaan sisällä harvinaisia sairauksia. Osalla potilaista kustannukset voivat kasvaa suuriksi, jos sairauden hoidossa tarvitaan useita valmisteita, jotka eivät ole korvattavia.

Harvinaissairauksien osaamiskeskukset ovat parhailaan luomassa tiiviimpiä yhteistyöverkostoja sekä Suomessa, Pohjoismaissa että EU:n alueella. Uusi toimintamalli mahdollistaa asiantuntijuuden ja voimavarojen hyödyntämisen yli hallinnollisten rajojen. Harvinaisten sairauksien kansallisessa

ohjelmassa painotetaan myös psykososiaalisen tuen merkitystä. Sen osalta palvelut eivät vielä vastaa tyydyttävästi harvinaissairaiden tarpeisiin, joten niiden kehittämiseen on syytä panostaa enemmän.

Lääkehoitoihin liittyvät kysymykset ovat olleet esillä paitsi kansallisessa myös eurooppalaisessa lääkepolitiikassa. Hollannin Euroopan neuvoston puheenjohtajuuden aikana valmisteltiin ja hyväksyttiin lääkepäätelmät, joissa otettiin kantaa myös harvinaislääkkeisiin. Päätelmissä tuotiin esille, että lääkeyhtiöt hinnoittelevat valmisteensa korkealle, vaikka joidenkin tuotteiden lisäarvo ei aina ole ilmeinen. Komissiota pyydetään jatkamaan toimia harvinaislääkkeitä koskevan nykyisen lainsäädännön täytäntöönpanon virtaviivaistamiseksi ja sen varmistamiseksi, että nykyisiä sääntöjä sovelletaan asianmukaisesti ja että kannustimet ja palkkiot jakautuvat tasapuolisesti.

Uusien ja innovatiivisten lääkkeitöiden korkeat kustannukset tuovat ongelman terveydenhuoltomme kestävyydelle. Hoitoa koskevien päätösten tueksi tarvitsemme yhä relevanttia tietoa hoitojen, mukaan luettuna lääkkeitöiden, hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta. Esille nousee myös kysymys siitä, miten tulevaisuudessa rahoitamme kalliit hoidot. Yhtenä vaihtoehtona rahoitukselle on esitetty maakuntien ylläpitämää kansallista rahastoa. Tämä on yksi niistä asioista, joista rakenteita uudistettaessa on linjattava. ●



Päivi Sillanaukee
Kansliapäällikkö, STM